



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/603278/2021
EMA/H/C/005553

Aspaveli (*pegcétacoplan*)

Aperçu d'Aspaveli et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Aspaveli et dans quel cas est-il utilisé?

Aspaveli est un médicament utilisé dans le traitement des adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN), une maladie caractérisée par une dégradation excessive des globules rouges (hémolyse), entraînant la libération dans les urines de grandes quantités d'hémoglobine (la protéine présente dans les globules rouges qui transporte l'oxygène dans l'organisme). Aspaveli est utilisé chez les patients qui continuent de présenter une anémie (faibles taux de globules rouges) malgré un traitement pendant au moins trois mois par un type de médicament appelé inhibiteur de C5.

L'hémoglobinurie paroxystique nocturne est rare et Aspaveli a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 22 mai 2017. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3171873.

Aspaveli contient la substance active pegcétacoplan.

Comment Aspaveli est-il utilisé?

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré sous la surveillance d'un professionnel de santé expérimenté dans la prise en charge des troubles sanguins.

Aspaveli est administré sous la forme d'une perfusion (goutte-à-goutte) sous la peau dans le ventre, la cuisse ou les bras. Il est administré deux fois par semaine (les jours 1 et 4).

Les patients doivent continuer à recevoir leur inhibiteur de C5 pendant 4 semaines après avoir commencé à prendre Aspaveli avant d'arrêter l'inhibiteur de C5.

Les patients peuvent s'administrer eux-mêmes le goutte-à-goutte après avoir reçu une formation à cet effet.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Aspaveli, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Comment Aspaveli agit-il?

Aspaveli est constitué de deux peptides synthétiques (courtes chaînes d'acides aminés) reliés entre eux, qui ciblent et se fixent à la protéine du complément C3, qui fait partie du système de défense de l'organisme appelé «système du complément».

Chez les patients atteints de HPN, les protéines du complément sont hyperactives et endommagent les cellules des patients. En bloquant la protéine du complément C3, Aspaveli empêche les protéines du complément d'endommager les cellules, contribuant ainsi à soulager les symptômes de cette maladie.

Quels sont les bénéfices d'Aspaveli démontrés au cours des études?

Aspaveli s'est avéré efficace pour prévenir la dégradation de l'hémoglobine et augmenter ses taux sanguins chez les patients atteints d'HPN qui avaient été traités par éculizumab pendant au moins trois mois mais étaient toujours anémiques.

L'étude principale a été menée auprès de 80 patients atteints d'HPN actuellement traités par éculizumab, un inhibiteur C5, mais qui ont continué d'être anémiques (taux d'hémoglobine inférieur à 10,5 g/dL) malgré ce traitement. Les patients sont passés à Aspaveli ou ont poursuivi leur traitement par éculizumab. Après 16 semaines, les taux d'hémoglobine chez les patients sous Aspaveli ont augmenté en moyenne de 2,37 g/dl, tandis qu'ils ont diminué de 1,47 g/dl en moyenne chez les patients qui étaient encore traités par éculizumab. Au cours de cette période, 6 personnes sur 41 ayant reçu Aspaveli ont eu besoin d'une transfusion sanguine, contre 33 personnes sur 39 traitées par éculizumab.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Aspaveli?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Aspaveli (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: réactions au site d'injection (rougeur de la peau, démangeaisons, gonflement et douleur au site d'injection), infection des voies respiratoires supérieures, douleurs abdominales, diarrhée, maux de tête, fatigue et fièvre. Les effets indésirables les plus graves sont l'hémolyse (dégradation des globules rouges) et la thrombocytopénie (faibles taux de plaquettes sanguines), qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10.

Sur la base de son mécanisme d'action, Aspaveli peut augmenter le risque d'infections. Aspaveli ne doit pas être utilisé chez les patients présentant une infection en cours provoquée par certaines bactéries connues sous le nom de bactéries encapsulées, notamment *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* et *Haemophilus influenzae*. Il ne doit pas non plus être utilisé chez les patients qui ne sont actuellement pas vaccinés contre l'infection par ces bactéries. Les personnes qui se font vacciner doivent prendre des antibiotiques appropriés pour réduire le risque d'infection pendant les deux semaines suivant la vaccination.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Aspaveli est-il autorisé dans l'UE?

Aspaveli s'est avéré efficace pour augmenter les taux d'hémoglobine dans le sang chez les patients atteints de HPN qui avaient été traités par éculizumab pendant au moins trois mois, mais étaient toujours anémiques. Il a également permis de réduire la nécessité de transfusions sanguines chez ces patients. En termes de sécurité, bien que les données relatives à la sécurité soient limitées en raison du petit nombre de patients inclus dans l'étude principale, les effets indésirables d'Aspaveli sont considérés comme gérables, compte tenu des mesures de minimisation des risques mises en place.

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Aspaveli sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Aspaveli?

La société qui commercialise Aspaveli veillera à ce que le médicament ne soit administré aux patients qu'après vérification qu'ils ont été correctement vaccinés. La société fournira également aux prescripteurs et aux patients les informations concernant la sécurité du médicament et enverra des rappels aux prescripteurs et aux pharmaciens pour qu'ils vérifient si une autre vaccination est nécessaire pour les patients sous Aspaveli. Les patients doivent également recevoir une carte spéciale leur expliquant les symptômes de certains types d'infections et leur indiquant de faire appel à un médecin immédiatement en cas d'apparition de ce type de symptômes.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Aspaveli ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Aspaveli sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Aspaveli sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Aspaveli:

De plus amples informations sur Aspaveli sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aspaveli.